



Läkemedelsförmånsnämnden

## BESLUT

1 (3)

**Datum**  
2005-03-29

**Vår beteckning**  
1/2005

### SÖKANDE

SWEDISH ORPHAN AB  
Drottninggatan 98  
111 60 Stockholm

Företrädare: Janne Laine

### SAKEN

Ansökan inom läkemedelsförmånerna

### LÄKEMEDELSFÖRMÅNSNÄMNDENS BESLUT

Läkemedelsförmånsnämnden beslutar att läkemedlet Orfadin ska ingå i läkemedelsförmånerna från och med den 30 mars 2005 till i tabellen angivna priser.

<b>Namn</b>	<b>Form</b>	<b>Styrka</b>	<b>Förp.</b>	<b>Varunr.</b>	<b>AIP (SEK)</b>	<b>AUP (SEK)</b>
Orfadin	Hård kapsel	10 mg	60 st	022505	26985,00	27150,00
Orfadin	Hård kapsel	5 mg	60 st	022494	14752,00	14917,00
Orfadin	Hård kapsel	2 mg	60 st	022455	7376,00	7541,00

## ANSÖKAN

SWEDISH ORPHAN AB (företaget) har ansökt om att Orfadin ska ingå i läkemedelsförmånerna och att pris fastställs.

Namn	Form	Styrka	Förp.	Varunr.	AIP (SEK)
Orfadin	Kap hård	10 mg	60 st	022505	26985,00
Orfadin	Kap hård	5 mg	60 st	022494	14752,00
Orfadin	Kap hård	2 mg	60 st	022455	7376,00

## UTREDNING I ÄRENDET

Tyrosinemi typ I (HT-1) är en svår ärftlig ämnesomsättningssjukdom som obehandlad leder till död cirka 2-8 månader efter födseln. En mindre akut, och ovanligare, variant upptäcks först efter en något längre tid och har liknande men mildare symtom.

Ungefär ett fall av HT-1 upptäcks i Sverige per år, och incidensen beräknas vara cirka 1/100 000.

Nitisonon började prövas på patienter med HT-1 under början av 1990-talet, och visade goda resultat. Nitisononbehandling (i kombination med dietrestriktioner) ger en överlevnadsfrekvens vid fyra års ålder på drygt 90 procent. I en studie av 27 patienter där enbart dietrestriktioner användes som behandling, och 19 levertransplantationer utfördes, var överlevnadsfrekvensen cirka 60 procent.

Företaget har kommit in med ett hälsoekonomiskt underlag där kostnaderna för orfadinbehandling jämförs med kostnader för levertransplantation. Vid låg kroppsvikt är orfadinbehandling kostnadsbesparande under de tio första åren. Kostnaden för behandling är hög och starkt beroende av patientens kroppsvikt.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkemedelsförmånsnämnden förordat att Orfadin ska ingå i läkemedelsförmånerna. Gruppen har anfört: ”Läkemedlet är ett säräkemedel som ger gott resultat på den dödliga sjukdomen hereditär tyrosinemi. Behandlingskostnaderna är höga men alternativa behandlingar är likaledes kostsamma och har begränsat resultat. Patientgruppen får anses vara prioriterad.”

## SKÄLEN FÖR BESLUTET

Orfadin är ett säräkemedel. Innan ett läkemedel kan få status som säräkemedel ska det enligt Europaparlamentets och Rådets förordning (EG) nr 141/2000 göras klart att det används mot ett mycket allvarligt medicinskt tillstånd, livshotande eller kroniskt funktionsnedsättande.

Högst fem av 10 000 personer i EU ska vara drabbade vid ansökningstillfället. Det får inte heller finnas någon annan tillgänglig terapi för den aktuella indikationen eller om det finns skall läkemedlet vara till betydande fördel för dem som lider av detta tillstånd. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

Enligt 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska ett receptbelagt läkemedel omfattas av läkemedelsförmånerna och försäljningspris fastställas för läkemedlet under förutsättning

1. att kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och
2. att det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 § läkemedelslagen (1992:859) är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

Läkemedelsförmånsnämnden gör följande bedömning.

Orfadin ökar kraftigt överlevnaden och reducerar symtom vid ärftlig tyrosinemi typ I. Detta tycks också gälla i de fall då behandling via dietrestriktioner och senare levertransplantation genomförs. Det finns därför starka humanitära skäl att läkemedlet ska subventioneras.

Orfadins effekt på överlevnad vid HT-1 är så stor att de kostnader som användningen av läkemedlet medför är rimliga, då alternativa behandlingar också är kostsamma och dessutom har begränsat resultat.

## HUR MAN ÖVERKLAGAR

Beslutet kan överklagas hos Länsrätten i Stockholms län. Överklagandet, som skall vara skriftligt, skall ställas till länsrätten, men ges in till Läkemedelsförmånsnämnden. Nämnden måste ha fått överklagandet **inom tre veckor** från den dag klaganden fick del av beslutet, annars kan överklagandet inte prövas. Nämnden sänder överklagandet vidare till länsrätten för prövning om inte nämnden själv ändrar beslutet på det sätt som begärts.

Detta beslut har fattats av f.d. generaldirektör Axel Edling, professor Per Carlsson, professor Olof Edhag, docent Lars Lindholm, överläkare Rurik Löfmark, överläkare Gunilla Melltorp, professor Rune Dahlqvist, överläkare Mikael Hoffmann, f.d. riksdagsledamot Ingrid Andersson och f.d. förbundsordförande Christina Wahrolin. Föredragande har varit Johanna Jacob.

Axel Edling

Johanna Jacob